

Ethische und ökonomische Aspekte von Gentherapien

Köln, 21. März 2019

Dr. Willi Schnorpfeil

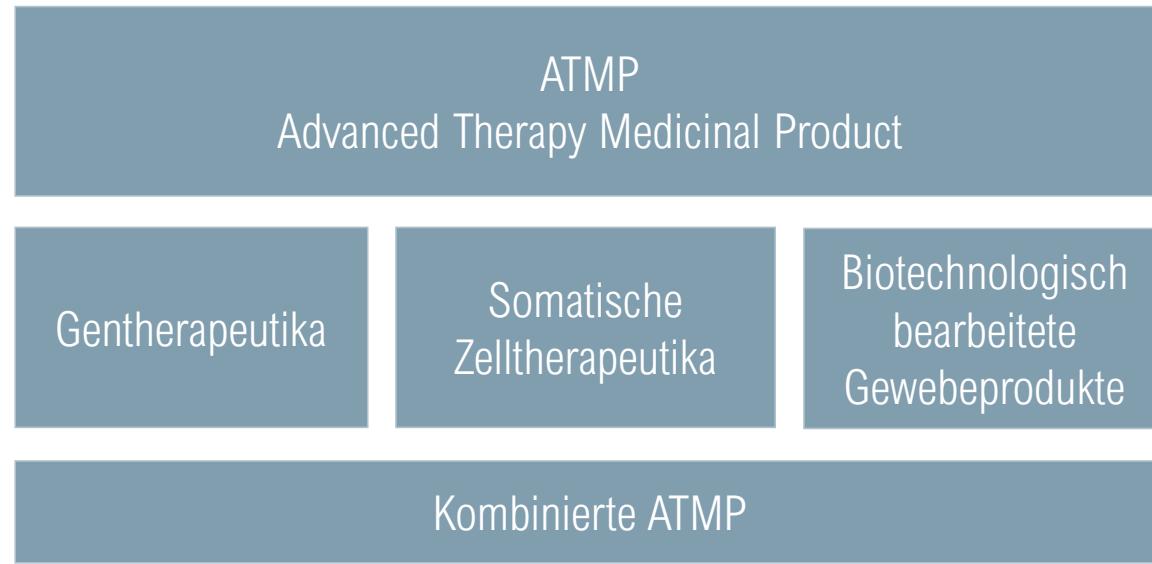
Agenda

- Gentherapien
- Versorgungsanspruch in der GKV
- Nutzen und Zusatznutzen
- Finanzierungsmodelle
- GSAV
- NUB Anträge
- Jahrestherapiekosten
- Morbi-RSA

Advanced Therapy Medicinal Products



Gentherapie / ATMP



Zulassung von ATMPs / Gentherapien ist geregelt

- Guideline liegt vor
- Zulassung häufig auf Basis von beschleunigten Verfahren
 - PRIME, Adaptive Pathways
 - Orphan Drug
 - Conditional Approval
 - Exceptional Circumstances
- Grundprinzipien identisch zu anderen Arzneimitteln
- Anforderungen and Quality, Efficacy & Safety
- Ergänzende Guidelines legen fest, dass Patienten im Regelfall 15 Jahre nachverfolgt werden sollen

Gentherapeutika – Definition

- Gentherapeutika: Biologisches Arzneimittel zur Anwendung im oder am Menschen
 - Beinhaltet einen Wirkstoff, der rekombinante Nukleinsäure enthält oder daraus besteht, der im Menschen verwendet oder ihm verabreicht wird, um eine Nukleinsäuresequenz zu regulieren, reparieren, ersetzen hinzuzufügen oder zu entfernen und
 - Seine therapeutische, prophylaktische oder diagnostische Wirkung steht in unmittelbarem Zusammenhang mit der rekombinanten Nukleinsäuresequenz, die es enthält, oder mit dem Produkt, das aus der Expression dieser Sequenz resultiert
- Impfstoffe gegen Infektionskrankheiten sind keine Gentherapeutika
- Klassischerweise soll ein intaktes Gen in das Genom der Zielzelle eingefügt werden, um ein defektes Gen zu ersetzen, das ursächlich für die Entstehung der Krankheit ist.

Rechtliche Grundlagen

- Zentrale Zulassung entsprechend der Verordnung EG Nr. 1394/2007
 - Klinische Studien gemäß GCP-Verordnung
- Nationale Ausnahmeregelung nach § 4b Abs. 3 AMG
 - Arzneimittel ist ein ATMP
 - Individuelle Zubereitung für einen einzelnen Patienten ärztlich verschrieben
 - Herstellung nach spezifischen Qualitätsnormen
 - Arzneimittel wird nicht routinemäßig hergestellt
 - Arzneimittel wird in spezialisierter Einrichtung der Krankenversorgung angewandt
 - Arzneimittel wird unter fachlicher Verantwortung eines Arztes angewandt
 - Genehmigung durch das PEI

PEI 2012, Arzneimittel für neuartige Therapien

Medizinischer Leistungsanspruch

- Der Leistungsanspruch ergibt sich aus dem SGB V
- § 2 / § 12 SGB V Leistungen der Krankenkassen unter Beachtung des Wirtschaftlichkeitsgebotes
 - Qualität und Wirksamkeit haben dem allgemein anerkannten Stand der medizinischen Erkenntnisse zu entsprechen und den medizinischen Fortschritt zu berücksichtigen
 - Versicherte mit einer lebensbedrohlichen oder regelmäßig tödlichen Erkrankung, für die eine Leistung nicht zur Verfügung steht, können abweichende Leistungen beanspruchen, wenn eine nicht ganz entfernt liegende Aussicht auf Heilung oder spürbare positive Auswirkung auf den Krankheitsverlauf besteht
- Leistungen müssen ausreichend, zweckmäßig und wirtschaftlich sein und dürfen das Maß des Notwendigen nicht überschreiten
- § 31 SGB V
 - Versicherte haben Anspruch auf Versorgung mit apothekenpflichtigen Arzneimitteln

Besondere Versichertengruppen

- Prävalenz genetischer Erkrankungen kann international sehr unterschiedlich sein
 - Thalassämie stellt beispielsweise eine Erkrankung dar, die vor allem im Süden Europas vorkommt und ursprünglich über die Migration nach Deutschland „importiert“ wurde
- Der Leistungsanspruch von Einwanderern / Asylsuchenden ist gesetzlich geregelt
 - § 2 Asylbewerberleistungsgesetz sieht vor, dass Leistung in den ersten 15 Monaten auf die Behandlung akuter Beschwerden und Schmerzen beschränkt sind
 - Zudem können die Länder bzw. Gemeinden über die Ausgabe von Behandlungsscheinen steuernd eingreifen
 - In etwa der Hälfte der Bundesländer werden den Asylbewerbern Verischertenkarten (mit beschränkten Leistungen) ausgegeben (Bremer Modell)
- Nach 15 Monaten haben Asylbewerber den gleichen Leistungsanspruch wie gesetzlich Versicherte
 - Die Leistungen werden über die Sozialhilfe in Form von Kostenerstattung finanziert, so dass dem GKV keine zusätzlichen Kosten entstehen
- Die Erstattung medizinischer Leistungen richtet sich in diesen Fällen nach den Erstattungsgrundsätzen der gesetzlichen Krankenversicherung

Ethische Aspekte

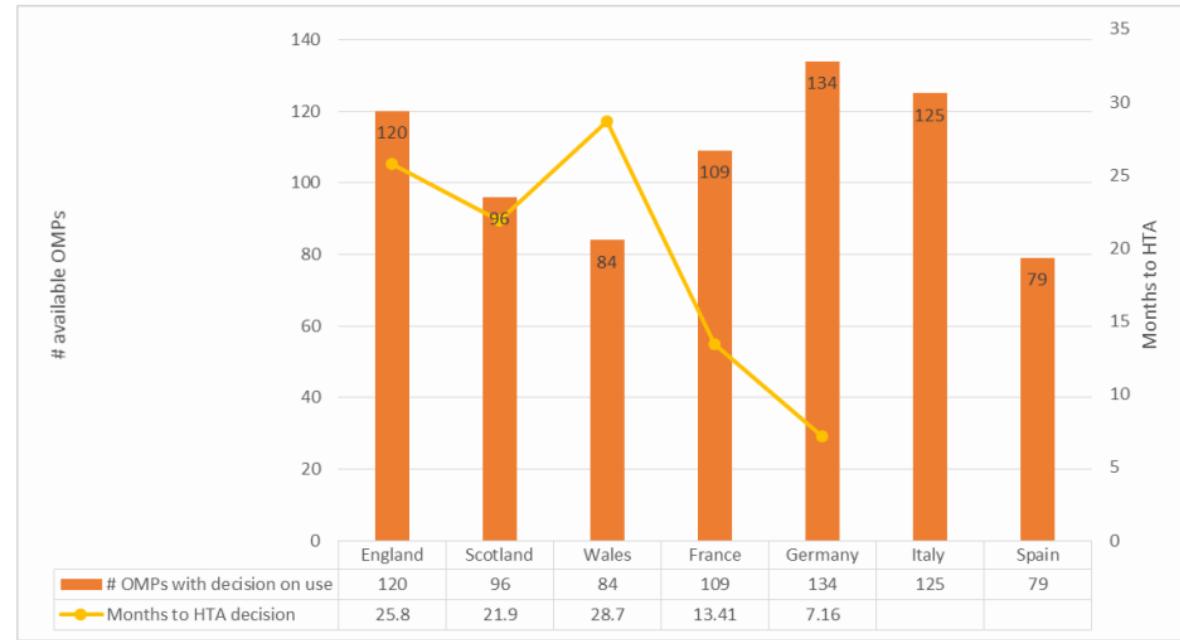
- Eingriffe in die Keimbahn werden aus ethischen Gründen bislang abgelehnt
- Das Embryonenschutzgesetz verbietet die Forschung in Deutschland
- Gleichwohl wird international mittels Genom-Editing geforscht
 - Aus China wurden Ergebnisse genetisch veränderter Kinder im Jahr 2018 publiziert
- Die Haltung zu Keimbahneingriffen wandelt sich international mit den verbesserten Möglichkeiten (CRISPR-CAS9)
- Keimbahninterventionen werden unterdessen in streng regulierten Risikogrenzen als ethisch vertretbar angesehen
- Es findet ein Wechsel statt von „Nicht-Erlauben, solange die Risiken nicht geklärt sind“, hin zu „Erlauben, wenn die Risiken besser eingeschätzt werden können“

Seltene Erkrankungen

- Menschen mit seltenen Erkrankungen werden als besonders vulnerabel angesehen
- Es besteht Konsens, dass eine solidarische Gesellschaft allen Mitgliedern eine faire Chance auf adäquate Behandlung einräumen muss
- Die strukturelle Ausrichtung des Gesundheitswesens auf häufige Erkrankungen, insbesondere Volkskrankheiten, benachteiligt tendenziell Menschen mit seltenen Erkrankungen
- In Deutschland gibt es keine Priorisierung von Leistungen, die eine Abwägung von individuellem Nutzen und gesellschaftlichen Nutzen vorsieht
- Allerdings steht dem entgegen, dass Menschen mit seltenen Erkrankungen den gleichen Anspruch auf Qualität, Unbedenklichkeit und Wirksamkeit von Arzneimitteln haben wie andere Patienten

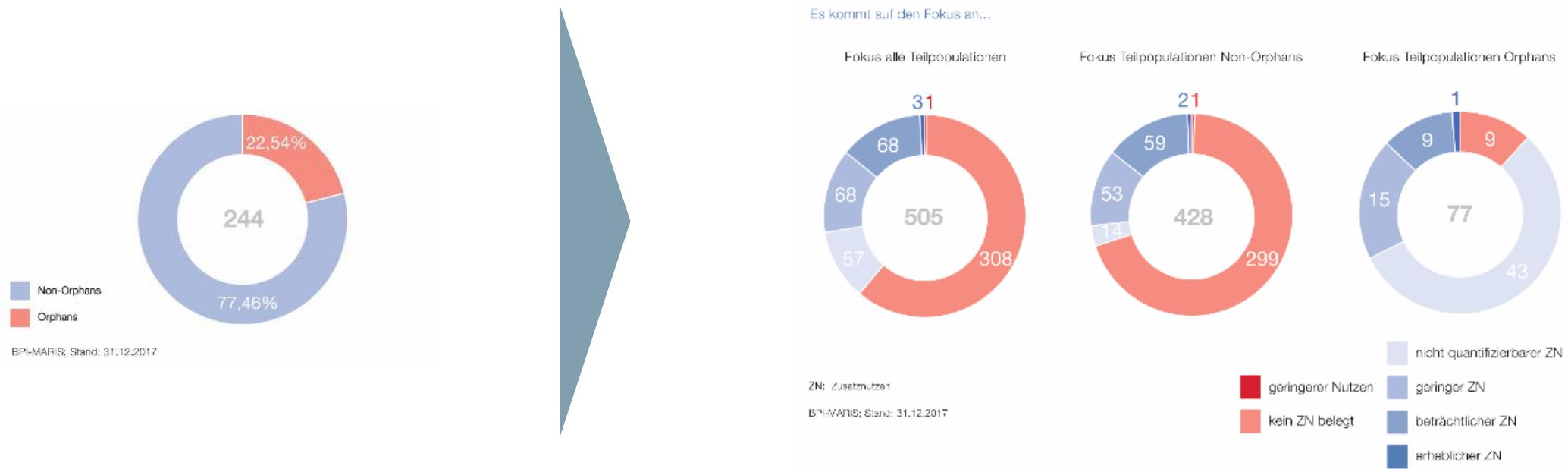
Seltene Erkrankungen sind vielfach privilegiert

- Man geht von ca. 7000 – 8000 seltenen Erkrankungen aus
- Ca. 140 Orphan Drugs auf dem Markt verfügbar
- Ca. 1700 Orphan Drug-Projekte im Jahr 2017
- Seit 2000 besondere Förderung von Arzneimitteln zur Behandlung seltener Leiden
 - Marktexklusivität über 10 Jahre
- Auch bei der Nutzenbewertung privilegierter Status
 - Keine Vergleichstherapie
 - Zusatznutzen gilt als belegt
 - Nur das Ausmaß des Zusatznutzens wird durch den G-BA bewertet



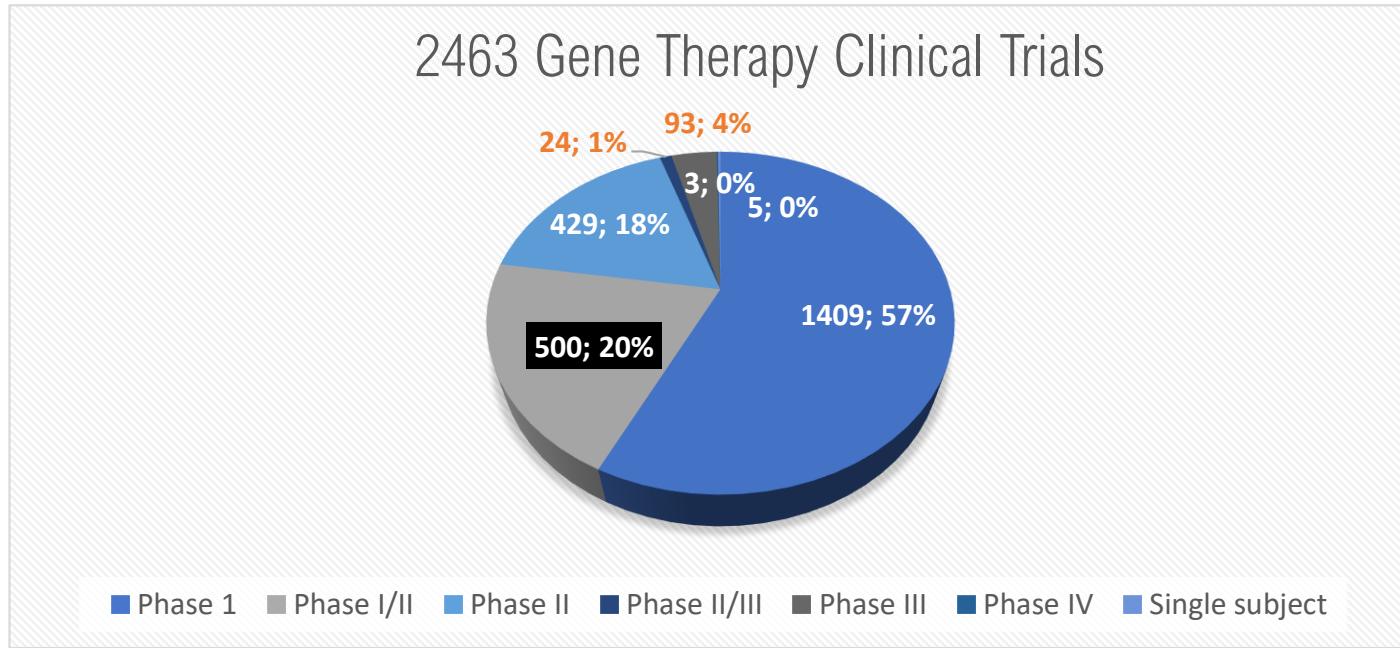
Zamora, B. et al, Comparing Access to Orphan Medicinal Products (OMPs) in the United Kingdom and other European countries, 2017.

Fiktiver / nicht quantifizierbarer Zusatznutzen bei Orphan Drugs



Gentherapeutische klinische Studien 11/2018

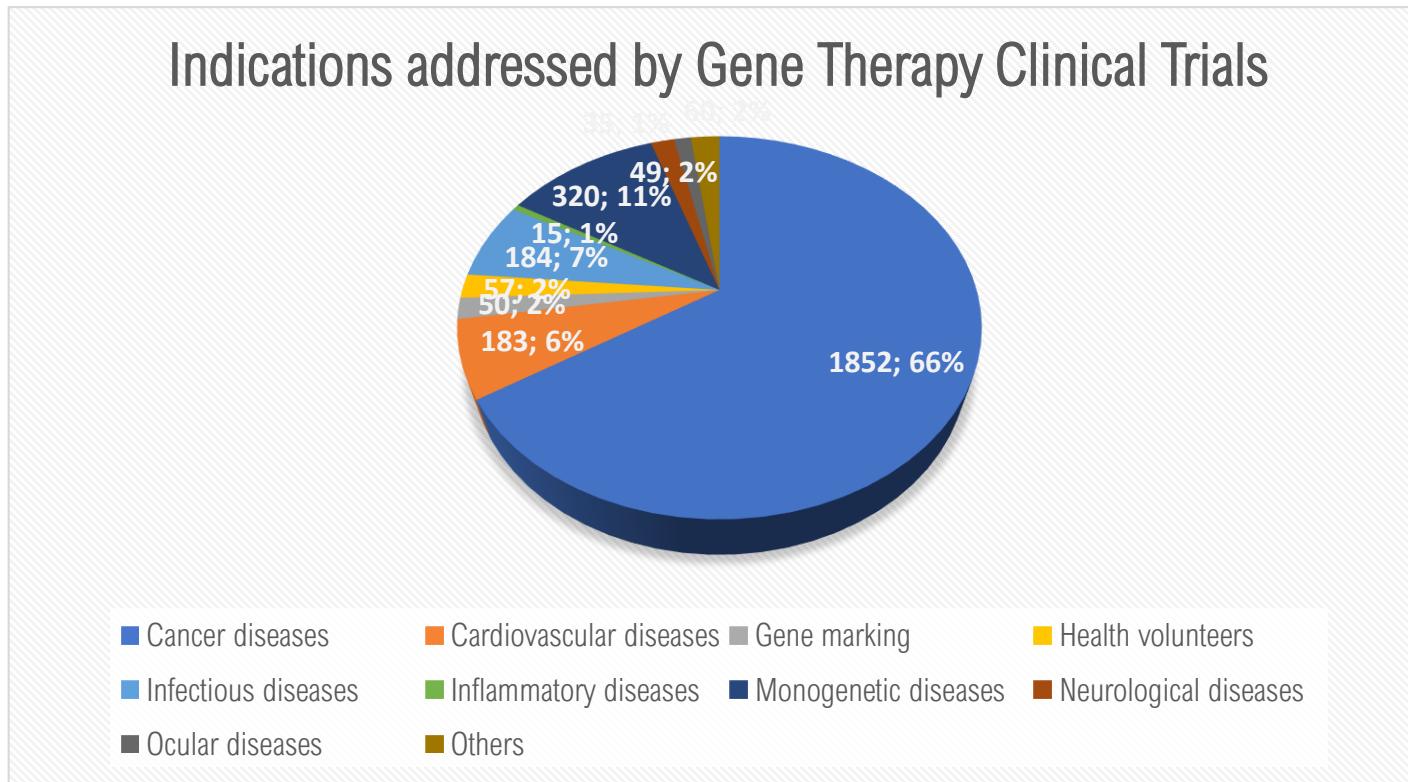
Die meisten klinischen Studien betreffen frühe Entwicklungsphase



Quelle: <http://www.abedia.com/wiley/phases.php>

Ca. 5% aller Studien sind in Phase II/III oder III und daher marktnah

Die meisten Studien werden in der Onkologie durchgeführt, gefolgt von monogenetischen Erkrankungen

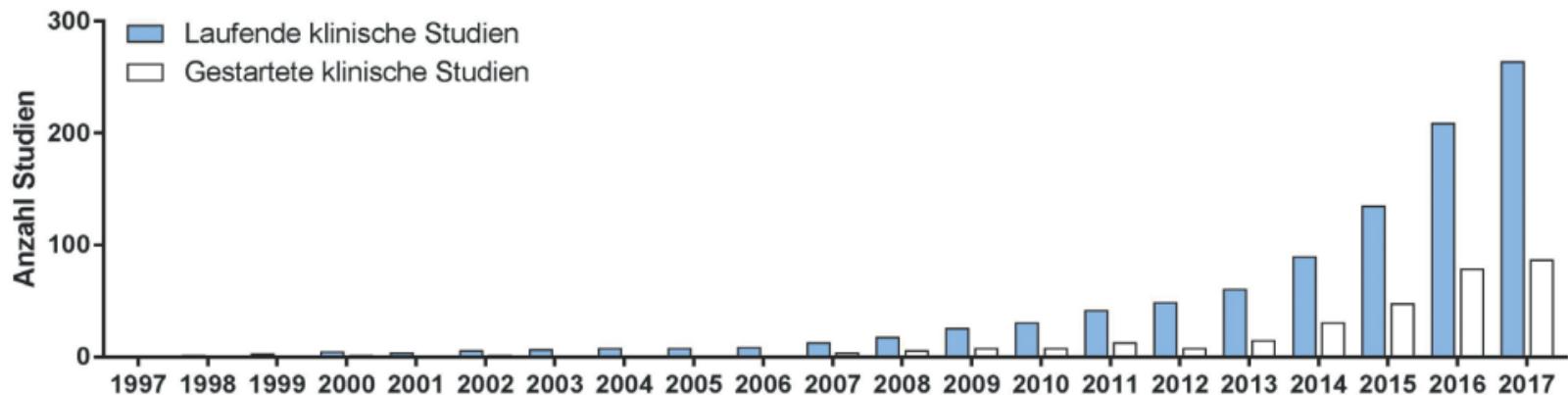


Quelle: <http://www.abedia.com/wiley/phases.php>

Entwicklung klinischer Car-T-Zell-Studien

Abbildung 3:
CAR-T-Zell-Studien im zeitlichen Verlauf, Anzahl der weltweit pro Jahr initiierten Studien sowie Gesamtzahl der laufenden Studien

Quelle: entnommen aus clinicaltrials.gov, entsprechend²



Buchholz et al., 2017, PEI, Neue Entwicklung in der Onkologie: CAR-T-Zelltherapie

Erstattungssituation von Gentherapien in Deutschland



ATMPs wecken finanzielle Phantasien



Novartis enters agreement to acquire AveXis Inc. for USD 8.7 bn to transform care in SMA and expand position as a gene therapy and Neuroscience leader

EDITOR'S PICK | 41,088 views | Aug 28, 2017, 11:45am

Gilead-Kite: A Breakthrough. A \$12 Billion Deal. Another Expensive Drug

Dienstag, 19. März 2019

manager lounge | ABO | SHOP | NEWSLETTER

manager magazin

PREMIUM ÜBER UNS UNTERNEHMER DIGITALES POLITIK FINANZEN IMMOBILIEN KARRIERE LIFESTYLE VIDEO

Home • Unternehmen • Pharmaindustrie • Roche kauft Spark Therapeutics für 4,3 Milliarden Dollar



25.02.2019

Heiße Wette auf US-Gentherapie-Spezialisten

Roche zahlt 4,3 Milliarden Dollar für 65 Millionen Dollar Umsatz

Von Lutz Reiche

Teilen:



Neue Finanzierungsmodelle



ViewPoints: Building a sustainable health system for curative therapies

Do payers value rarity?

Medic, Goran; Korchagina, Daria; Young, Katherine Eve; Toumi, Mondher; Postma, Maarten; Wille, Micheline; Hemels, Michiel

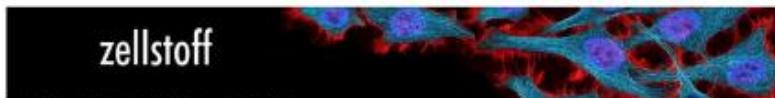
Published in:
Journal of market access & health policy

Struggling with the High Cost of Gene Therapy

Author: Ruth J Hickman, MD and James Radke, PhD

Curative therapies: Can breakthrough reimbursement models break through financial barriers?

by Tom Yang, Principal, Monitor Deloitte, Deloitte Consulting, LLP



Neuartige Biomedizin – Zulassung bedeutet nicht Erfolg

7. Sep
2016

Recent trends in the pricing of high-cost pharmaceuticals

Genetic Risk, John Ropponen

The Washington Post

Business
Gene therapies offer dramatic promise but shocking costs

Gene therapy — The price is right?

October 2, 2015 at 4:32 PM (<https://medspanresearch.wordpress.com/2015/10/02/gene-therapy-the-price-is-right/>) | Robert Kaminsky (<https://medspanresearch.wordpress.com/author/medspanresearch/>) | Leave a comment (<https://medspanresearch.wordpress.com/2015/10/02/gene-therapy-the-price-is-right/#respond>)

Science News

from research organizations

New payment model for gene therapy needed, experts say

Date: September 9, 2014

Opening the gateways to market and adoption of regenerative medicine?
The UK case in context

REVIEW ARTICLE

Breaking the Bank: Three Financing Models for Addressing the Drug Innovation Cost Crisis

J.D. Kleinke; Nancy McGee, DrPH

Rewriting Life

The World's Most Expensive Medicine Is a Bust

The first gene therapy approved in the Western world costs \$1 million and has been used just once. The doctor who tried it says the price is "absolutely too high."

by Antonio Regalado May 4, 2016

Kommerzielles Versagen der ersten Gentherapien verlangt nach neuen Finanzierungsmodellen

- Unsicherheit verbunden mit Gen- und Zelltherapien
 - Zum Teil Diskrepanz zwischen regulatorischer Zulassung und Erstattungssystemen
 - Real World Evidence ist begrenzt und wird von den Kassen häufig nicht akzeptiert
 - Langfristiger klinischer Nutzen von Gen- und Zelltherapien ist oft nicht bekannt
 - Stakeholder haben keine Garantie, dass Produkte Versprechen halten
- Ökonomische Anreize
 - Inhärentes Auseinanderfallen zwischen Zahlungszeitpunkt und langfristigem Nutzen
 - Fragmentierte Gesundheitssysteme mit Wechsel der Versicherung (USA)
 - Prohibitive Zuzahlungen
 - Komplexe Produkte (ex vivo autologous therapies), die unterschiedliche Prozeduren einschließen
 - Klassifikation von ATMPs noch nicht definiert (new method, pharmaceutical, medical device)
 - Kodierungssysteme, die neue Prozeduren noch nicht erfassen
- Erstattungsparadigmen
 - Sind nicht darauf ausgerichtet, Einmal – Behandlung und Nutzen / Zusatznutzen abzubilden

Kassen fürchten hohe Kosten

Unternehmen fürchten ROI

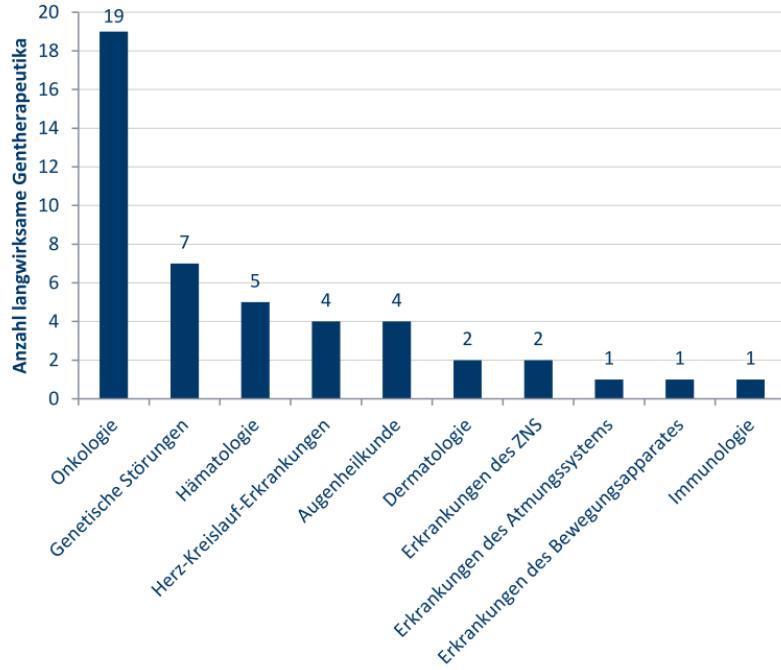
Zentral zugelassene ATMP

	Brand	Wirkstoff	Zulassung	Zusatznutzen	NUB
Gentherapeutika	Imlytic	Talimogen laherparepvec	12/2015	Nicht belegt	1
	Strimvelis		05/2016	Italien	
	Kymriah	Tisagen lecleucel	08/2018	Nicht quant.	1
	Yescarta	Axicabtagen ciloleucel	08/2018	ongoing	1
Zelltherapeutika	Zalmoxis	Allogene, genetisch modifizierte T-Zellen	08/2016	Nicht quant.	4
	Alofisel	Darvadstrocel	03/2018	Nicht quant.	4
Biotechn. Gewebe- produkte	Holoclar		02/2015	Gering-fügigkeit	4
	Spherox		07/2017	§ 135 SGB V	4

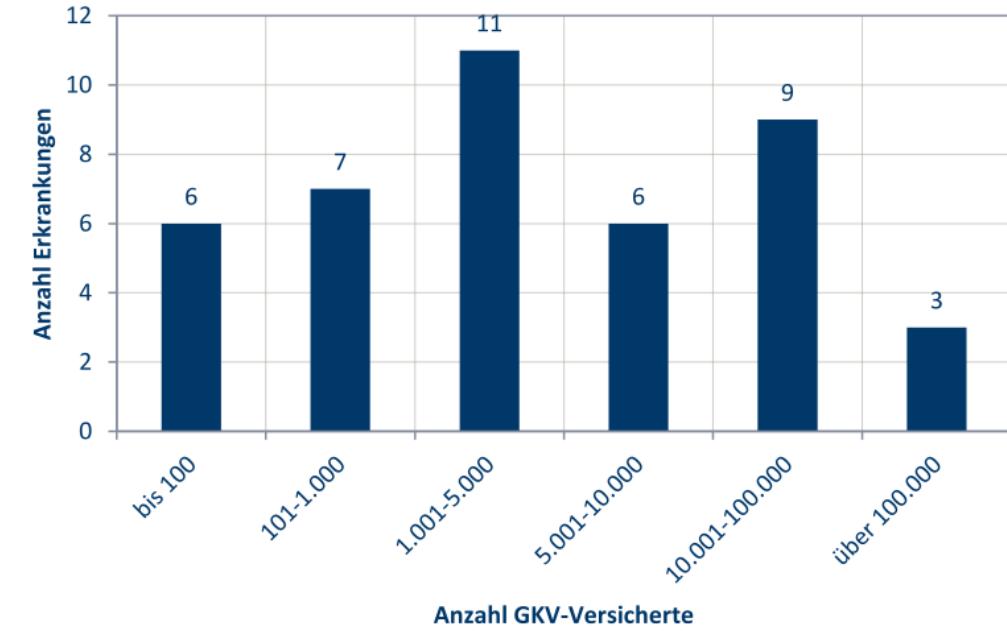
EMA – nicht mehr zugelassene ATMP

			Zulassung	Zusatznutzen	NUB
Gentherapeutika	Glybera	Alipogen tiparvovec	12/2015 – 10/2017	Nicht quant.	4
Zelltherapeutika	Provenge	Sipuleucel-T	09/2013 – 05/2015	Nicht quant.	
Biotechn. Gewebe- produkte	MACI		06/2013 – 06/2018	§ 135 SGB V	
	ChondroCelect		10/2009 – 07/2016	vor AMNOG	

Anzahl langwirksamer Gentherapien nach Therapiegebiet



Quelle: IGES auf Basis der systematischen Registerrecherche



Quelle: IGES auf Basis der Register- und Literaturrecherchen

Wieviel darf eine Gentherapie kosten?

Gentherapeutika	Preise / Value
Glybera	1.318.431
Imlytic	72.287 – 289.151
Strimvelis	650.000
Luxturna	850.000 \$
Kymriah	320.000 €
Yescarta	389.130 € (M3)
Zalmoxis	189.474 - 757.899
Lenti-Globin (Thalassämie)	1,8 Mio € - value
BioMarin (Hämophilie)	1,5 Mio. \$
Avexis (Spinale Muskleathropie)	4 Mio \$ (based on QALYs)

Erstattung ambulant - stationär

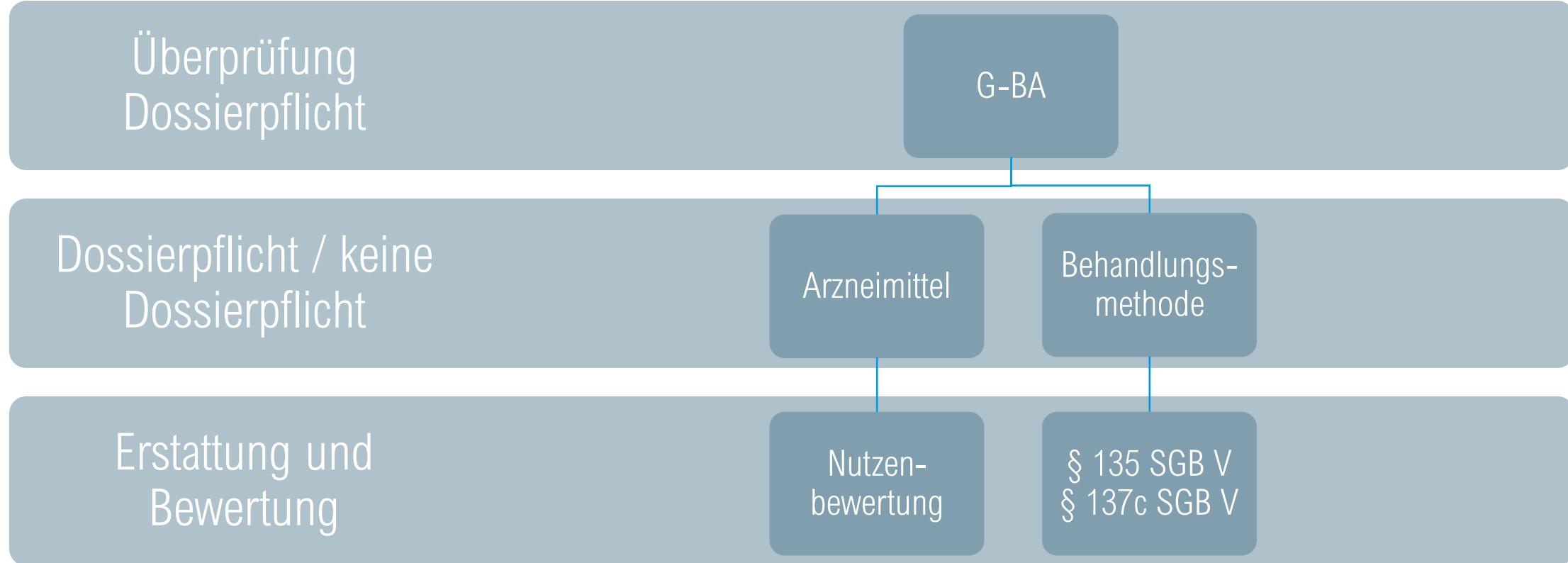
Ambulant

- AMNOG § 35a
- Freier Marktzugang
- Erstattungsbetrag nach 12 Monaten

Stationär

- AMNOG § 35a
- Preisverhandlungen mit Krankenhäusern
- DRG / NUB Erstattung
- Erstattungsbetrag nach 12 Monaten

Nutzenbewertung für ATMPs in Deutschland



Entscheidung Arzneimittel oder Behandlungsmethode

Nutzenbewertung

Arzneimittel

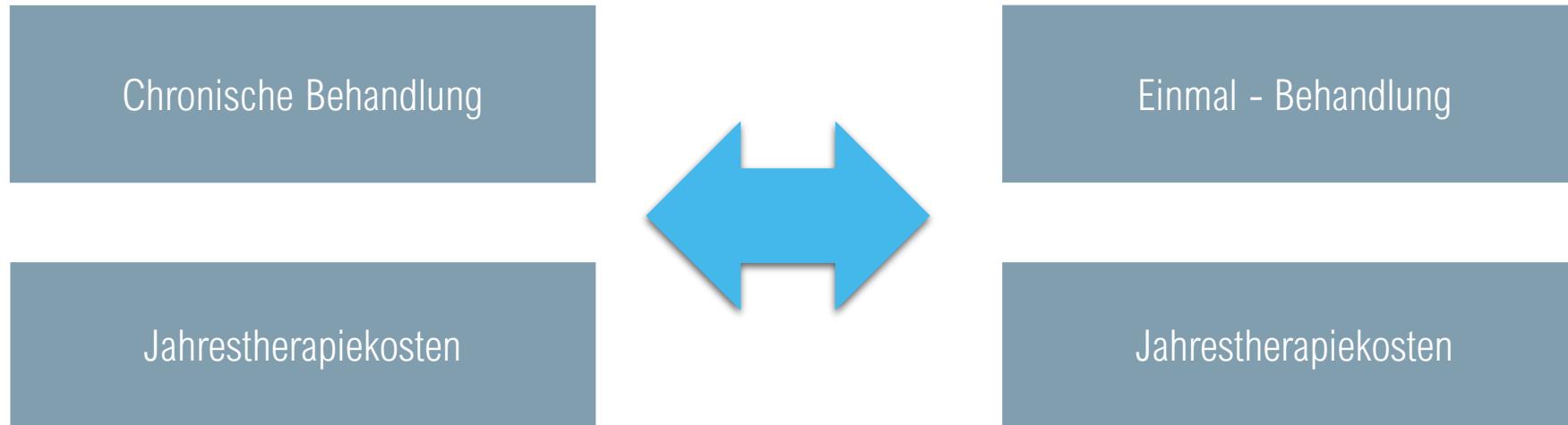
§ 135 / 137c SGB V

Methodenbewertung

- Pharmazeutischer Charakter steht im Vordergrund
- Einfache Verabreichungsmethode (z.B. Injektion, Infusion)

- Komplexe Verabreichungsmethode
- Verabreichung im Rahmen einer ärztlichen Intervention (z.B. Operation)
- Die korrekte Verabreichung hat mindesten die gleiche Signifikanz für einen erfolgreichen Therapieausgang wie das aktive Wirkungsprinzip des Produktes

Vergleich alternativer Behandlungsregime



- Zeithorizont
- Nutzen und Zusatznutzen
- Erstattung

Beispiel Hämophilie

- ca. 2.840-3.190 Patienten
- Nicht AMPV
- HMG

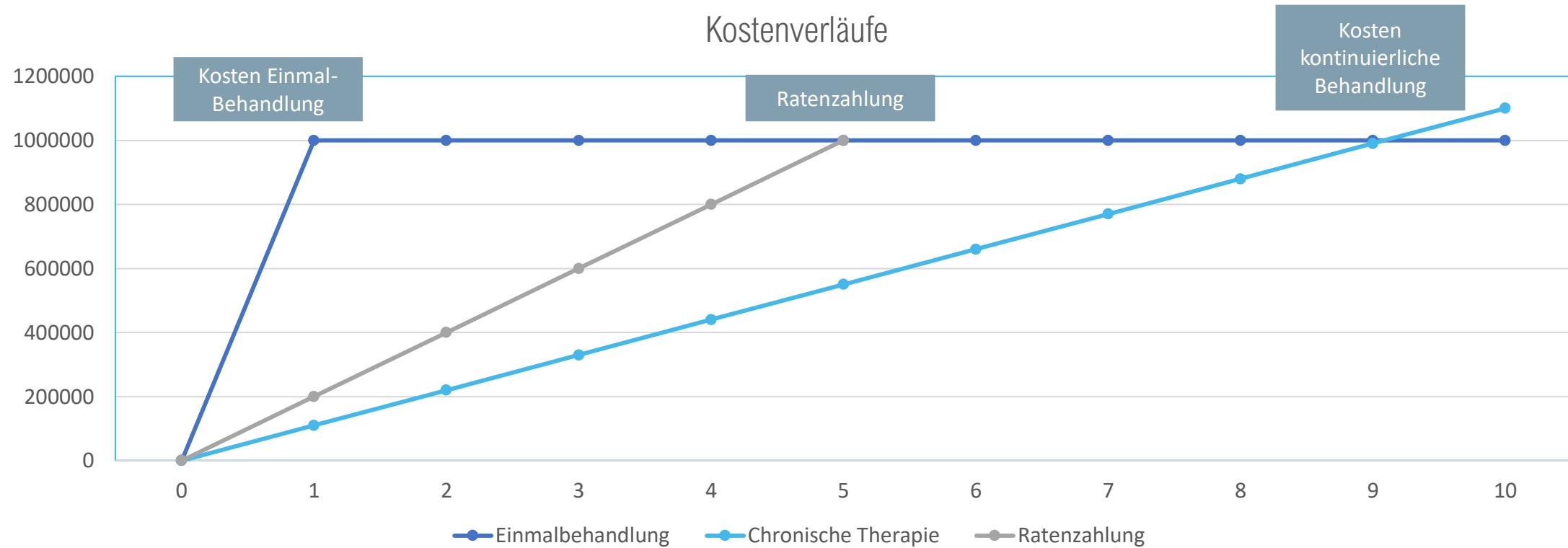
Jahrestherapiekosten¹:

Bezeichnung der Therapie	Jahrestherapiekosten/ Patient	
Zu bewertendes Arzneimittel:		
Ruriococog alfa pegol (Adynovi [®])	Erwachsene	506.797,20 € - 651.596,40 €
	12 - <18 Jahre	361.998,00 € - 506.797,20 €
Zweckmäßige Vergleichstherapie:		
Rekombinanter Blutgerinnungsfaktor VIII		
Efmorococog alfa (Elocta [®])	Erwachsene	184.120,97 € - 786.367,47 €
	12 - <18 Jahre	143.205,20 € - 581.228,13 €
Lonoctocog alfa (Afstyla [®])	Erwachsene	200.986,24 € - 732.164,16 €
	12 - <18 Jahre	143.561,60 € - 559.890,24 €
Moroctocog alfa (Refacto AF [®])	Erwachsene	246.443,05 € - 739.329,15 €
	12 - <18 Jahre	176.030,75 € - 528.092,25 €
Octococog alfa (z.B. Iblias [®]) ²	Erwachsene	229.574,80 € - 688.724,40 €
	12 - <18 Jahre	163.982,00 € - 491.946,00 €
Simoctocog alfa (Nuwiq [®]) ³	Erwachsene	222.306,88 € - 666.920,63 €
	12 - <18 Jahre	158.790,63 € - 476.371,88 €
Turoctocog alfa (NovoEight [®])	Erwachsene	269.642,10 € - 654.845,10 €
	12 - <18 Jahre	192.601,50 € - 500.763,90 €
Aus humanem Plasma gewonnener Blutgerinnungsfaktor VIII		
Human plasmatische Präparate (z.B. Fanhd1 [®]) ⁴	Erwachsene	210.873,95 € - 632.621,85 €
	12 - <18 Jahre	150.624,25 € - 451.872,75 €

Kosten nach Abzug gesetzlich vorgeschriebener Rabatte (Stand Lauer-Taxe: 15.10.2018)

https://www.g-ba.de/downloads/39-261-3558/2018-11-01_AM-RL-XII_Ruriococog-alfa-pegol_D-356.pdf

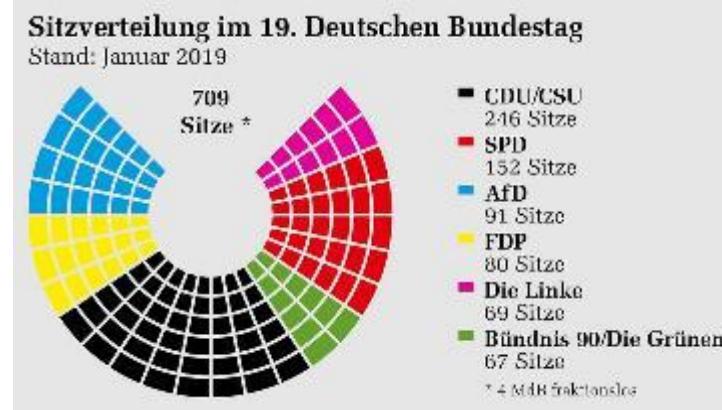
Vergleich der Kosten einer Einmal-Behandlung mit kontinuierlicher Behandlung und Ratenzahlung über 5 Jahre



Vorschläge zur Erstattung von Einmal-Therapien

- Erstattung der Kosten zum Zeitpunkt der Therapie
- Verteilung der Therapiekosten über einen bestimmten Zeitraum
- Kombination mit „Pay for Performance“ zur Risikoreduktion für die Kostenträger

Politik entwickelt Vorschläge zum Umgang mit ATMPs und Orphan Drugs



GSAV - Änderungen des SGB V

→ Orphan Drugs / ATMPs

- Ausweitung 50 Mio. € Grenze auf den Krankenhausbereich
- Einführung von anwendungsbegleitende Datenerhebungen / Patientenregistern
 - Conditional approval; under exceptional circumstances; orphan drugs
- Mitwirkungspflicht der verordnenden Ärzte
- Beratungsmöglichkeit bei Patientenregistern
- Änderung des § 130b SGB V – regelmäßige Nachverhandlungen des Erstattungsbetrages aufgrund der Ergebnisse aus Registern

→ Bedingte Zulassung

- Hersteller noch nicht in der Lage die umfangreichen Daten eines Volldossiers vorzulegen
- Arzneimittel schließt medizinische Versorgungslücke
- Auflage, fehlende Evidenz nach Zulassung zu generieren

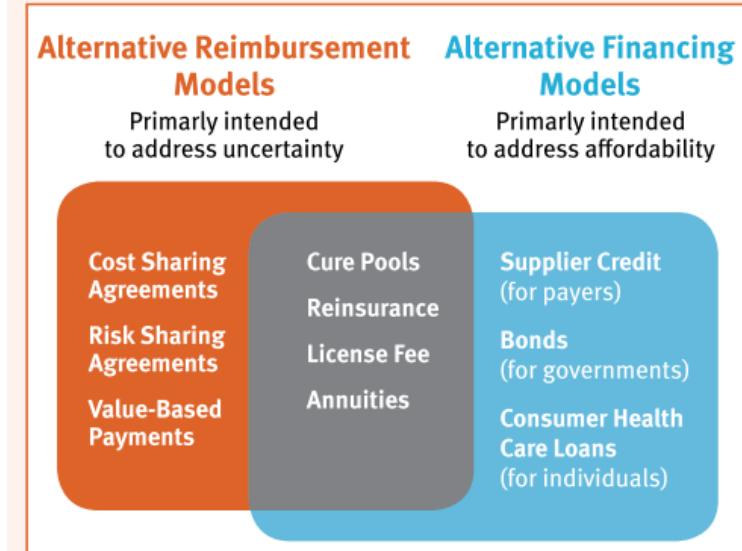
→ Unter außergewöhnlichen Umständen

- Es kann dem Antragsteller nicht zugemutet werden vollständige Unterlagen vorzulegen
- Seltenheit, nicht möglich, ethische Gründe
- Auflagen, weitere Evidenz vorzulegen

Nutzenbewertung und Erstattung werden aufeinander abgestimmt und regelmäßig überprüft

Neue Erstattungsmodelle haben das Ziel, Nutzen und Risiken über die Zeit zu internalisieren

Exhibit 5
Alternative Models



SOURCE: Alliance for Regenerative Medicine

Erstattung:
Pay for Performance-Modelle minimieren das Risiko der KK; sind administrativ aufwendig

Finanzierung:
Verteilung der Kosten über die Zeit minimieren Risiken

Hochrisikopool / Rückversicherung:
sichert KK und führt zu Verteilungsgerechtigkeit

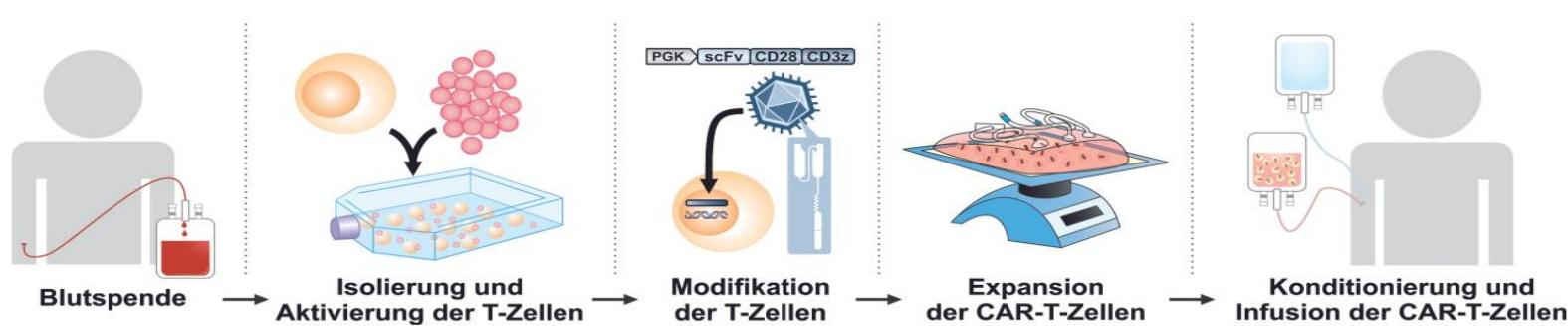
Zielsetzung ist eine Verteilung der Kosten und des Risikos über die Zeit

Beispiel Kymriah / Yescarta

©1989-2018 APM International - https://www.apmhealtheurope.com/story.php?obj=60391&idmail=PjsxFe42fDtm_2R4a6TVPSoxvg-C12KtnnD89Vs-l-NaD3hKHTxulet2euK13wpMBqpZETMrClyqZyR5cnDzKK9JeCgmMNTj0yfMrM3ojf1kk_bkWj03NPi2NfCKsmFAT_zCbovPNtjM52S6xt5MOp5uL2Z5D3PczGR77EW1AE0GSx-343IPwtQYrrTERah1BxS8jcc3Zrx1YMMgPIV-3LPJLQ19Ht7tWltxOLNU

STORY - 20/09/2018

Major German payer AOK says no need for pay-for-performance schemes for CAR-Ts

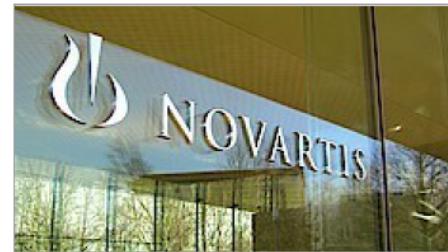


Erstes Pay for Performance-Modell vereinbart

NEUES ARZNEI-ERSTATTUNGSMODELL

Novartis: Geld nur bei Überleben

APOTHEKE ADHOC, 06.03.2019 14:51 Uhr



Innovativ: Mit einem neuen Erstattungsmodell für Krebsarzneien geht Novartis andere Wege.

Foto: APOTHEKE ADHOC

Zelltherapie gegen Leukämie. Danach führt Novartis einen Teil der Arzneimittelkosten für das Arzneimittel Kymriah (Tisagenlecleucel) an die GWQ zurück, sollte „innerhalb eines definierten Zeitraums das Therapieergebnis Überleben nicht erreicht werden“. „Novartis und GWQ tragen damit gemeinsam Verantwortung für eine nachhaltige Finanzierung des Gesundheitssystems“, heißt es in einer Mitteilung. Die vertragliche Vereinbarung stelle einen zentralen Baustein für die beschleunigte Patientenversorgung mit innovativen Heilmethoden dar.

Berlin - Die Krankenkassen kämpfen mit explodierenden Kosten neuer Krebstherapien – für viele Schwerkranke liegen in individuellen Therapien andererseits große Hoffnungen. Jetzt hat Novartis Pharma mit Krankenhäusern ein vom Genesungsprozess abhängiges Erstattungsmodell vereinbart: Verstirbt der Patient, erhält die Kasse einen Teil der Kosten zurück.

Laut Novartis betrifft der Vertrag mit dem Kassendienstleister GWQ ServicePlus die CAR-T-

Vorschlag der Techniker Krankenkasse

- Einmaltherapien – von Dauer?
 - Auftreten von seltenen, aber schwerwiegenden Nebenwirkungen
 - Zulassung auf Basis von kleinen Studienpopulationen
 - Orphan Drugs mit beschleunigter Zulassung
 - Nicht im RSA abgebildet
- Dynamischer Evidenzpreis
 - Neues alternatives Verfahren zum AMNOG
 - Real World Evidence (Register)
 - Preis für 24 Monate basierend auf Europ. Referenzpreis
 - Evidenzbasierter Erstattungsbetrag nach 24 Monaten
 - Jährliche Anpassungsmöglichkeit

Ärzte Zeitung online, 05.03.2019 16:51

Neuartige Therapien

Techniker schlägt AMNOG-Ergänzung vor

Ein neues Preismodell und rasche Generierung zusätzlicher Evidenz fordert TK-Chef
Dr. Jens Baas für Advanced Therapy Medicinal Products (ATMP).

Von Helmut Laschet



Im jüngst vorgelegten Drug-Future Report hat die Techniker Kasse die Rahmenbedingungen für Sprunginnovationen analysiert und bringt nun neue Ideen dazu ein.

Beispiele für Zuweisungen aus dem RSA nach HMG

HMG	Bezeichnung	Monatliche Zuweisung	Prävalenz	Jahrestherapiekosten
HMG035	Hämophilie oder Willebrand-Jürgens-Syndrom mit Dauermedikation	21.034	1.996	252.408
HMG281	Morbus Gaucher mit ERT/SRT, Morbus Niemann Pick mit SRT, Mukopolysaccharidose Typ I mit ERT	25.950	362	311.400
HMG282	Morbus Fabry mit ERT	19.505	586	234.060
HMG284	Morbus Pompe, Morbus Morquio Typ a mit ERT	34.088	265	409.056
HMG285	Mukopolysaccharidose Typ II oder VI mit ERT	48.741	84	584.892
HMG293 - SMA -	Unvollständige zervikale bzw. thorakale Rückenmarksläsion / Vollständige Quadriplegie / Motoneuronenerkrankungen / Spätfolgen traumatischer Rückenmarksläsionen	1.545	39.407	18.536

<https://www.bundesversicherungsamt.de/risikostrukturausgleich/bekanntmachungen/bekanntmachung/article/bekanntmachung-zum-gesundheitsfonds-nr-12018.html>
<https://www.bundesversicherungsamt.de/risikostrukturausgleich/datenzusammenstellungen-und-auswertungen/risikogruppenanteile.html>

Praktische Umsetzungsprobleme

- Auswertung von Patientenregistern unklar
 - Teilnahme der Versicherten ist nicht verpflichtend
 - Individueller- vs. Populationsbezug
- Konzept der Jahrestherapiekosten in der Nutzenbewertung muss angepasst werden
- NUB – Entgelte sind zeitlich nicht mit AMNOG synchronisiert
 - Wie werden Gentherapien im ersten Jahr (ohne Erstattungsbetrag) erstattet
- Erstattung von Arzneimitteln im Krankenhaus widerspricht „Ratenzahlungen“
 - Direkte Abrechnung mit den Krankenkassen
- Morbi-RSA muss durch Risikopool ergänzt werden
 - Einmalzahlungen nicht im Morbi-RSA abgebildet
 - Bestimmte Erkrankungen nicht im Morbi-RSA abgebildet (Thalassämie)

Fazit

- Gentherapien werden kommen
- Es besteht eine hohe Bereitschaft zum Einsatz von Gentherapien
- Die Finanzierung wird sich in kommenden Jahren weiterentwickeln
- Umsetzungsprobleme müssen gelöst werden
- Praktikabilität und Nutzen von Patientenregistern muss geklärt werden